



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. oktober 2019  
EMA/521995/2019  
EMA/H/C/004734

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Xyndari (glutamin)

Podjetje Emmaus Medical Europe Ltd je umaknilo svojo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Xyndari za zdravljenje srpastocelične anemije.

Podjetje je svojo vlogo umaknilo 18. septembra 2019.

### Kaj je zdravilo Xyndari in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Xyndari je bilo razvito kot zdravilo za srpastocelično anemijo, gensko bolezen, pri kateri rdeče krvne celice postanejo toge in srpaste oblike. Nenormalne celice zavirajo pretok krvi po telesu in sproščajo hemoglobin (beljakovino, ki prenaša kisik) v kri. To povzroča bolečino, poškodbe organov, ponavljajoče se okužbe in anemijo (nizke vrednosti hemoglobina).

Zdravilo Xyndari vsebuje učinkovino glutamin in naj bi bilo na voljo kot prašek, ki se raztopi v tekočini, in se jemlje peroralno. Glutamin je učinkovina v več zdravilih, ki se uporabljajo za parenteralno prehrano (hranila, ki se dajejo s kapalno infuzijo v veno).

Zdravilo Xyndari je bilo 4. julija 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za srpastocelično anemijo. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011).

### Kako zdravilo Xyndari deluje?

Način delovanja učinkovine v zdravilu Xyndari, glutamina, pri srpastocelični anemiji ni dobro poznan. Študije kažejo, da ima glutamin, ki ga vsrkajo nenormalne rdeče krvne celice pri srpastocelični anemiji, antioksidativni učinek (odstranjuje molekule, imenovane prosti radikali, ki poškodujejo celice) in zmanjša prilepljanje krvnih celic na stene krvnih žil. To naj bi izboljšalo pretok krvi do organov in s tem skrajšalo obdobja bolečine (tj. srpastocelično krizo), do katerih prihaja pri srpastocelični anemiji.

### Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate glavne študije pri 230 bolnikih s srpastocelično anemijo. Bolniki so eno leto prejeli bodisi zdravilo Xyndari ali placebo (zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



je bilo število srpastoceličnih kriz, ki so jih bolniki doživeli. Študija je proučevala tudi, kako pogosto so bili bolniki hospitalizirani zaradi bolečine, ki jo povzroča srpastocelična anemija. Podjetje je predložilo tudi rezultate podporne študije, v kateri so bila uporabljena podobna merila učinkovitosti, pri 70 bolnikih, ki so prejeli zdravilo Xyndari ali placebo.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Postopek ocenjevanja je bil zaključen in Evropska agencija za zdravila je priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, ki je bilo na zahtevo podjetja v času umika v ponovni presoji. Podjetje je umaknilo vlogo pred koncem ponovne presoje in Evropska komisija je izdala sklep na podlagi priporočila agencije.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?**

Agencija je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge menila, da je treba vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Xyndari za zdravljenje srpastocelične anemije zavrniti.

Agencija je menila, da v glavni študiji niso dokazali, da je zdravilo Xyndari učinkovito pri zmanjševanju števila srpastoceličnih kriz ali bolnišničnih obiskov. Veliko število bolnikov, od katerih jih je več jemalo zdravilo Xyndari kot placebo, je študijo zapustilo pred njenim koncem, informacije o delovanju zdravila pri teh bolnikih pa niso bile na voljo. Agencija je menila, da način obdelave podatkov teh bolnikov ni bil primeren.

Agencija je imela tudi zadržke glede podporne študije, ki je vključevala majhno število bolnikov, od katerih so številni predčasno zapustili študijo. Poleg tega je v tej študiji več bolnikov, ki so jemali zdravilo Xyndari, kot bolnikov, ki so jemali placebo, prejelo zdravilo za srpastocelično anemijo, imenovano hidroksisečnina. To bi lahko vplivalo na rezultate.

Zato je agencija ob umiku vloge menila, da se podjetje ni zadostno odzvalo na izražene zadržke in da razmerje med koristmi in tveganji zdravila Xyndari ni bilo dokazano.

## **Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?**

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da je vlogo umaknilo zaradi spremembe v svoji strategiji trženja.

## **Ali ta umik vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe?**

Podjetje je agencijo obvestilo, da v Evropi trenutno ne poteka nobeno klinično preskušanje z zdravilom Xyndari. Bo pa nadaljevalo sedanje programe sočutne uporabe zdravila, dokler se ne zaključijo razprave z nacionalnimi organi, ki so že izdali dovoljenje za programe sočutne uporabe zdravila.

Če ste vključeni v program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se pogovorite z zdravnikom.